

(別添)

「承認申請時の電子データ提出に関する基本的考え方について」
に関する質疑応答集 (Q&A)

問 1

電子データの提出対象となる品目について、「医薬品の承認申請について」(平成 26 年 11 月 21 日付け薬食発 1121 第 2 号厚生労働省医薬食品局長通知)の別表 2 - (1) に掲げる (1) から (7) まで、(9) 及び (9 の 2) の医療用医薬品とする。」と記載されているが、薬事法等の一部を改正する法律(平成 25 年法律第 84 号)が施行され、新たに定義された「再生医療等製品」は含まれるのか。

(答)

含まれない。

問 2

医師主導治験や既に過去に実施した試験等でデータが電子的に保存されていない等、電子データを準備することが困難な特段の状況がある試験について、電子データの提出を不要とする場合があると記載されているが、どのような試験が該当するのか。

(答)

原則として、「承認申請時の電子データ提出に関する基本的考え方について」(平成 26 年 6 月 20 日付け薬食審査発 0620 第 6 号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知)の記の 2 に該当する資料については、経過措置期間が終了した後承認申請する場合、電子データとして提出することが必要である。

ただし、電子データの提出範囲とされた試験について、試験実施時期が古く、データが電子的に保存されていない等、提出すべき電子データを準備することが困難な場合は、個別の状況に応じて提出要否や提出内容を判断するため、事前に独立行政法人医薬品医療機器総合機構(以下「PMDA」という。)に相談すること。

なお、薬事・食品衛生審議会において公知申請に関する事前評価を受けた医薬品については、電子データを提出する必要はなく、「薬事・食品衛生審議会において公知申請に関する事前評価を受けた医薬品の適応外使用について」に関する質疑応答について(平成 22 年 9 月 1 日付け厚生労働省医薬食品局総務課・審査管理課・安全対策課事務連絡)の問 1 に示した添付資料を提出す

ることで差し支えない。

問 3

既に CDISC 標準に基づく電子データを、過去の承認申請において PMDA に提出している場合、新たな承認申請における評価資料とする際に、再度、同一の電子データを提出することは不要と考えてよいか。

(答)

基本的に、再度、同一の電子データを提出する必要はない。ただし、新たな承認申請のために追加で解析が実施された場合など、同じ試験であってもデータセット、プログラム等を新たに提出することが必要な場合もあるので、該当する場合は、提出前に個別に PMDA に相談することが望ましい。

問 4

「臨床試験以外の試験（非臨床試験等）等に関する電子データの活用についても並行して検討を進めており、将来的には、電子データで提出すべき資料の範囲が変更となる可能性がある」とのことだが、具体的にはどのようなことが想定されているのか。

(答)

臨床試験以外のデータとしては、毒性試験等の非臨床試験データに関して、CDISC 標準の一つである SEND (The Standard for Exchange of Nonclinical Data) に基づき、電子的なデータ提出を求める可能性について検討しているところである。なお、品質データについても電子的な提出を求める可能性はあるが、現時点で具体的な検討には着手していない。

問 5

その他の第 I 相試験及び臨床薬理試験並びに参考資料等について、「これらの試験・解析に関する電子データ（母集団解析に用いたデータセットを含む。）については、一律に提出を求めるものではないが、PMDA が必要と判断したものについては提出を求めることがある。」とのことだが、承認申請後の審査の過程で新たに必要となった試験データを CDISC 標準で提出するために時間を要する場合も想定されるが、そのような場合に承認審査は遅延するのか。

(答)

円滑な承認審査のためには、承認申請前の段階で必要となる電子データに関し、PMDA と十分に相談しておくことが重要である。そのような手続を経ても、例外的に承認申請後の審査の過程で新たに電子データの提出が必要とな

る場合もあるが、一般的には承認審査を継続しながら対応可能な事項が多いと考えられ、承認審査が遅延することのないよう可能な限り対応することとしたい。

問6

提出すべき電子データとして、スクリーニングにおける不適格例に関するデータは必要か。

(答)

組み入れ症例数に比して多数の当該不適格例が発生している場合や組み入れ基準に懸念がある場合等、審査の過程で必要と判断された場合には、スクリーニングにおける不適格例に関する電子データの提出を求めることがある。したがって、当該不適格例に関するデータが症例報告書等により収集されている場合には、当該不適格例の電子データを提出することが望ましい。

問7

「有効性又は安全性について複数の試験結果を統合して解析している場合には、その解析結果（いわゆる Integrated Summary of Safety (ISS) /Integrated Summary of Effectiveness (ISE)）のデータセットについて、電子データでの提出を求めることがある。」と記載されているが、どのような場合に提出が必要であるのか。

(答)

発現頻度が低い重篤な有害事象のリスクを評価する場合など、申請者において複数試験のデータを併合した解析が実施され、その結果がCTDに記載されていて、審査を行う上でその結果が重要と考えられる場合には、その解析結果のもととなったデータセットについて電子的に提出を求めることとなる。詳細は、「承認申請時の電子データ提出に関する実務的事項について」（平成27年4月27日付け薬食審査発0427第1号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知）を参照すること。

問8

電子データの活用については、将来的にはアカデミアとの連携も想定されていると思われるが、どのような連携が想定されているのか。

(答)

アカデミアとの連携については、提出されたデータの機密性や知的所有権に配慮しながら、今後検討を進める予定である。例えば、PMDAにおいて新た

なモデル等を構築する過程では、最新の科学的知見を踏まえる必要があることから、アカデミアとの連携も視野に入れた対応を行う必要があると考えている。この場合には、提出された電子データではなく、仮想的なデータを用いて検討が可能な場合もあると考えている。具体的には、今後、製薬企業等をはじめ、関係者の意見を聴取しながら、科学的かつ適切な検討を円滑に進められるよう検討していく予定である。

問 9

承認申請時に提出する臨床試験の電子データは CDISC 標準に準拠している必要がある旨記載されているが、治験を実施する段階から CDISC 標準に準拠している必要があるのか。

(答)

平成 28 年度以降に電子データでの提出が必要となるのは、承認申請資料に含まれる臨床試験（評価資料）のデータであり、CDISC 標準のうち SDTM や ADaM に基づくデータ提出を想定している。したがって、治験時に CDASH 等の CDISC 標準を利用した症例報告書のデータ収集の実施を、現時点で必ずしも求めるものではないが、治験実施時の CDISC 標準の利用に向け、前向きに検討することが望ましい。

問 10

希少疾病用医薬品等について、平成 26 年 6 月 20 日より前に開始した試験については、その限りではないと記載されているが、どのような場合に CDISC 標準以外の形式で提出が可能か。

(答)

重篤な疾患であり、代替する適切な医薬品、医療機器又は治療法がなく、患者数が少ない疾患等を対象とする希少疾病用医薬品等については、安全かつ良質なものを一日も早く医療の現場に提供することが国民から求められている。このため、希少疾病用医薬品等の開発を促進するための特別の支援措置が講じられている。

当該支援措置の一環として、基本的通知の記の 2 の (2) に該当する資料のうち、試験開始日（最初の被験者を組み入れた日）が平成 26 年 6 月 20 日（基本的通知発出日）より前の試験であっても、承認申請時に試験データを提出する必要はあるが、CDISC 標準以外の形式の電子データを提出することでも差し支えないものとする。これにより、申請者による申請前までの準備に関する負担の一部を軽減する。

なお、CDISC 標準以外の形式の電子データを提出する場合は、該当する試験や提出内容について、事前に PMDA に相談すること。

問 11

HIV 感染症治療薬については、「HIV 感染症治療薬の製造又は輸入承認申請の取扱いについて」（平成 10 年 11 月 12 日付け医薬審第 1015 号厚生省医薬安全局審査管理課長通知）において、一層の迅速な承認審査を行うため、海外の審査当局に対する承認申請に添付される資料に基づく承認申請を可能としている。このような承認申請を行う医薬品の電子データのうち、海外の審査当局に提出しておらず、CDISC 標準と異なる形式で収集された試験の電子データについても、CDISC 標準に準拠した形式で提出する必要があるか。

(答)

海外の審査当局に提出しておらず、CDISC 標準と異なる形式で収集された試験の電子データについては、CDISC 標準に準拠した形式に変換してまで提出する必要はない。なお、電子データの提出対象となる資料の範囲や電子データの具体的な提出内容については、事前に PMDA に相談すること。